

ご質問・ご意見に対する回答 (2026 年 10 月 27 日号)

弊社 web サイト等よりお寄せいただきました主なご質問・ご意見に対し、以下のとおり回答を公開させていただきます。

なお、以下の回答は、お寄せいただきましたご質問・ご意見の中から回答を公開すべきと弊社が判断をしたものであり、お寄せいただきましたすべてのご質問・ご意見に対するものではありませんので、あらかじめご了承ください。

Q1	ALS の治験についてですが、主要評価項目が途中で変更されたということを目にしたのですが、それは事実なのでしょうか？ もし事実であるならば、変更された経緯についてご説明をお願いできないでしょうか。 よろしくお願いいたします。
A1	ALS を対象とするフェーズ 2b/3 臨床試験（COMBAT-ALS スタディ）の主要評価項目が、治験の途中で「ALSFRS-R」から「CAFS」へ変更されたのでしょうか、というお問い合わせを複数いただいております。 結論から申し上げますと、治験の開始後に、主要評価項目を途中で変更したという事実はありません。 日本時間の 2019 年 4 月 16 日に公表いたしましたプレスリリースにおいて、二重盲検治療期間が 9 カ月（オープンラベル治療期間はない）、主要評価項目は 9 カ月における ALSFRS-R スコアのベースラインからの平均変化量というプランで治験を計画していることをアナウンスいたしました。 その後、ALS のキーオピニオンリーダー等との協議を経て、治験の開始前に、二重盲検治療期間を 12 カ月に延長し、6 カ月のオープンラベル治療期間を加えました。主要評価項目についても ALSFRS-R による機能評価と生存期間の両方を含めて評価するようにプロトコルを改訂しました。 米国国立衛生研究所（NIH）の傘下にある国立医学図書館（NLM）が運営している Clinical Trials.gov という臨床試験を登録するウェブサイトには、COMBAT-ALS スタディの治験概要が登録されていますが、主要評価項目に関しては、治験概要の登録当初から以下のとおり機能評価と生存期間の両方を含むものとして定義されています。 Change from baseline in ALSFRS-R score at Month 12 (or last measurement before death in case of censoring) and survival time. 治験開始前に FDA と協議した際、ALSFRS-R による機能評価だけでなく、生存期間も含めた評価項目を設定するように推奨を受けていたため、上記の主要評価項目には当初から「ALSFRS-R の変化」と「生存期間」の双方が明記されています。 一方、治験プロトコルや ClinicalTrials.gov では、主要評価項目を構成する要素を示しているものの、機能評価と生存期間を総合的にどのような統計手法で解析するかという詳細までは記

	載していません。具体的な解析方法は SAP（統計解析計画書）で規定したものです。 すなわち、COMBAT-ALS スタディの主要評価項目である CAFS は、変更をしたのではなく、当初から定められていた機能評価と生存期間の両方をどのように統合して評価するかを具体化したということです。
--	---

以 上

MediciNova, Inc.（メディシノバ・インク）
東京事務所 IR 担当
E-mail infojapan@medicinova.com
URL <https://medicinova.jp/>